

2026年7月2日

各位

会社名株式会社リボミック
代表者名代表取締役社長中村義一
(コード番号:4591東証グロース)
問合せ先財務経理部長今井利哉
<https://www.ribomic.com/contact.php>

軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の国内第Ⅲ相臨床試験における 第一例目の症例登録のお知らせ

当社は、umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH と略)の小児患者(2~14 歳)を対象とする国内第Ⅲ相臨床試験(検証的試験)を推進しております。このたび、第一例目の被験者登録(First Patient In, FPI)が完了しましたのでお知らせいたします。

本試験は国内承認取得を目指す第Ⅲ相試験であり、第一例目の被験者登録は当社開発パイプラインの着実な前進を示す重要なマイルストーンと位置付けております。今後、国内複数施設での症例登録を加速させることで、臨床的価値の検証を進め、日本発の医薬品創製の実現に向けた取り組みを一層推進してまいります。

本試験の概要は2026年 3 月18 日付の当社開示「軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の国内第Ⅲ相臨床試験治験申請のお知らせ」をご参照ください。

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2777738/00.pdf>

なお、本件による2027年3月期通期業績に与える影響はありません。

[Umedaptanib Pegol について]

Umedaptanib pegol は、RBM-007 の国際一般名であり、線維芽細胞増殖因子 2(FGF2)の機能を強力に阻害するアプタマー(核酸医薬)として、軟骨無形成症の発症機序に直接作用する根本的な治療法になることが期待されています。なお、本薬剤は厚労省から希少疾病用医薬品指定を受けています。

[軟骨無形成症について]

軟骨無形成症は、線維芽細胞増殖因子(FGF)に対する3型受容体(FGFR3)の遺伝子変異により FGFR3 が活性化しやすく、FGF シグナルの過剰流入によって軟骨等の正常な発育が阻害され、四肢短縮等を伴う低身長をもたらす疾患です。新生児約 25,000 人に対して 1 人の発生率という希少疾患であり、難病に指定されております。有効な新薬の開発が求められております。

以上